

{ INFORMACIÓN sobre tratamientos con células madre

El **único tratamiento aprobado** hasta el momento con **empleo de células madre**, en cualquier parte del mundo, es el del **trasplante alogénico de Células Progenitoras Hematopoyéticas (CPH) de un donante a un paciente**, ya sean las mismas tomadas de la médula ósea, de la sangre periférica o de la sangre del cordón umbilical. Estos trasplantes son un recurso terapéutico aceptado, utilizado y con buenos resultados.

Por otra parte no existe ninguna evidencia clínica que indique su eficacia terapéutica en otras enfermedades como Parkinson, Alzheimer, diabetes, etcétera. **Todo uso de células madre que no sea el trasplante de medula ósea, es experimental.**

Dicha experimentación exige un protocolo de investigación y solo será un tratamiento establecido luego de pasar por diferentes fases preclínicas y clínicas de investigación. **La implementación de protocolos de investigación clínica deben ser gratuitos para el paciente**, incluyendo todos los gastos que el tratamiento exigiere y requiere la aprobación de la autoridad competente, en nuestro país, el INCUCAI a través de su Comité de Ética en Investigación.

{ Preguntas frecuentes

La ISSCR recibe muchas preguntas sobre las nuevas terapias clínicas usando células madre y la existencia de ensayos clínicos con estas células. A continuación, describimos algunas claves que le permitirán analizar y entender mejor estas preguntas.

1. ¿Qué son las células madre?
2. ¿Qué es una terapia con células madre?
3. ¿Para qué tipo de enfermedades o condiciones se están utilizando tratamientos establecidos con células madre?
4. ¿Cuáles son las consideraciones particulares al usar terapias con células madre?
5. ¿Cuál es el proceso habitual para desarrollar un nuevo tratamiento médico?
6. ¿Cuáles son las diferencias entre un tratamiento clínico aprobado y una intervención experimental?
7. ¿Qué es un ensayo clínico?
8. ¿Qué es un formulario de consentimiento informado o de aceptación de tratamiento?
9. ¿Cómo se sabe si una terapia autorizada con células madre es segura?
10. ¿Qué debo saber si estoy considerando una terapia con células madre?
11. ¿En qué debo ser precavido si estoy considerando una terapia con células madre?
12. ¿Qué más cosas debo preguntar?
13. ¿Debo solicitar una segunda opinión?
14. ¿Cómo puedo encontrar información sobre ensayos clínicos que usen células madre?

1. ¿Qué son las células madre?

Las células madre se definen a través de dos de sus propiedades. La primera es que son capaces de auto - renovarse, es decir que pueden dividirse y generar mas células madre del mismo tipo. La segunda, es que pueden madurar o diferenciarse en células especializadas capaces de llevar a cabo funciones específicas, como la piel, el músculo o la sangre.

Hay muchos tipos diferentes de células madre. Estas incluyen las células madre embrionarias que existen solo en los primeros estadios del desarrollo y varios tipos de células madre “tejido específicos” (también denominadas células madre adultas o somáticas) que se encuentran en distintos tejidos del cuerpo humano. Recientemente, se han generado por ingeniería genética células con propiedades similares a las células madre embrionarias pero derivadas de células ya especializadas como las células de la piel, y que se denominan “células pluripotentes inducidas” (o células iPS).

Para más información sobre las células madre, investigación con células madre, un glosario de terminología sobre células madre y algunos de los retos que deben de resolverse para poder usar las células madre en el tratamiento de un amplio rango de enfermedades, puede leer “Stem Cell Facts: The Next Frontier” en la pagina Web de la ISSCR:

http://www.isscr.org/public/ISSCR08_PubEdBroch.pdf

2. ¿Qué es una terapia con células madre?

Una terapia con células madre es un tratamiento que usa células madre o células que derivan de células madre, para reemplazar o reparar células dañadas de pacientes. Las células madre podrían ser puestas en la sangre, trasplantadas directamente en el tejido dañado, o reclutadas de los tejidos del propio paciente para su auto-reparación.

3. ¿Para qué tipo de enfermedades o condiciones se están utilizando tratamientos establecidos con células madre?

El rango de enfermedades para las cuales hay tratamientos establecidos basados en células madre es aún muy pequeña. Algunos problemas hematológicos y del sistema inmune y en caso de trasplante de células de médula ósea, pueden, en algunos casos ser tratados eficazmente con células madre del sistema hematopoyético.

Los médicos han estado transfiriendo células progenitoras hematopoyéticas mediante trasplantes de células madre sanguíneas desde hace más de 50 años, y se ha avanzado mucho en las técnicas de recolección de células madre sanguíneas que se usan clínicamente en la actualidad. El cordón umbilical, al igual que las células de la médula ósea, se usa actualmente como fuente de células madre sanguíneas y está siendo utilizado experimentalmente como una alternativa a los trasplantes realizados con células de la médula ósea.

Otras células madre tejido-especificas podrían jugar también un papel en el trasplante de tejidos que han sido llevados a cabo en los últimos años. En tejidos y órganos, como la piel o la cornea, las células

madre presentes en estos tejidos contribuyen a su regeneración a largo plazo.

Otros tratamientos con células madre siguen siendo experimentales, lo que significa que todavía no ha sido demostrado que sean seguros y/o funcionales.

4. ¿Cuáles son las consideraciones particulares al usar terapias con células madre?

Las terapias basadas en células madre son nuevas y aún tenemos muchas cosas que aprender de ellas.

En primer lugar, hay retos que se deben resolver en la preparación de las células madre para su uso como medicamento, ya que a diferencia de otros medicamentos (compuestos químicos), las células madre no pueden ser producidas y ensayadas en grandes cantidades, y los tratamientos pueden ser específicos de cada paciente.

Para la mayoría de las enfermedades, aún se está determinando que células son las más idóneas para funcionar en su capacidad de reparar un daño tisular particular y cual es la fuente más adecuada para conseguir estas células.

Por último, cualquier efecto secundario y la seguridad a largo plazo deben de ser determinadas, ya que las células trasplantadas pueden permanecer durante años en el cuerpo del receptor del trasplante. Por lo tanto es extremadamente importante una cuidadosa monitorización y un seguimiento clínico de los pacientes que han recibido terapias con las células madre.

5. ¿Cuál es el proceso habitual para desarrollar un nuevo tratamiento médico?

Este proceso se conoce como traslación clínica.

El proceso comienza con la investigación básica sobre la biología y el funcionamiento de los tejidos y células y que es lo que hacen mal en un determinado proceso patológico o de daño tisular. Esta información se usará para diseñar y desarrollar métodos de diagnóstico, para parar o reparar aquellos procesos que son erróneos o con una actividad defectiva.

Para testar si y como una nueva intervención terapéutica puede funcionar para una determinada enfermedad o daño, los estudios se realizan primero in vitro (en una placa de cultivo), y cuando es posible en animales de experimentación con una enfermedad o daño similar al que estamos estudiando. Esto se denomina estudio pre-clínico y también debe ser revisados por expertos, publicado en revistas científicas y confirmado antes de su traslado a los pacientes.

Tras demostrar un efecto razonable, que los tratamientos pueden funcionar y ser seguros, es necesario solicitar los permisos adecuados para poder llevar a cabo un estudio clínico en humanos, empezando con un número limitado de pacientes. En algunos casos, nuevos tratamientos experimentales podrían ser ensayados en un número limitado de individuos antes de que el ensayo clínico comience.

Los datos obtenidos hasta el momento permitirán un mejor conocimiento de los mecanismos de

seguridad biológica, de los posibles efectos secundarios y los métodos para conseguir que tratamiento llegue a la parte adecuada del cuerpo. En este momento, el número de pacientes se incrementará gradualmente y la nueva intervención terapéutica se comparará directamente con los tratamientos existentes.

Cuando al seguridad y la efectividad de este tratamiento haya sido demostrada a través del ensayo clínico la agencia regional o nacional, por ejemplo, la Agencia Americana "US Food and Drug Administration (FDA) o la Europea " The European Medicines Agency (EMA)" podrá aprobar el uso de este tratamiento para las condiciones y enfermedades para las que se ha estudiado.

6. ¿Cuáles son las diferencias entre un tratamiento clínico aprobado y una intervención experimental?

Un ensayo clínico autorizado es un práctica clínica que ha sido probada a través del proceso formal como es el ensayo clínico que demuestra que es razonablemente seguro y efectivo para una determinada enfermedad y condición clínica. Normalmente, estos tratamientos deben de ser aprobados por una agencia regional o nacional como la FDA o la EMA.

Una intervención experimental es un tratamiento médico nuevo, aun no - testado, o diferente al habitual. Por lo tanto, aun no ha sido probado que es seguro o que funcionará para el tratamiento de una determinada enfermedad.

7. ¿Que es un ensayo clínico?

Un ensayo clínico es una investigación clínica diseñada para responder a cuestiones concretas sobre un nuevo tratamiento o una nueva utilización o modificación de un tratamiento que está siendo utilizado. Los ensayos clínicos se usan para establecer que un nuevo tratamiento es seguro y efectivo. Es muy importante entender que los tratamientos que están siendo estudiados no han sido aun probados. Estos podrían no ser tan buenos como, o incluso de igual eficacia que los tratamientos ya existentes.

Alguna investigación clínica no se considera un ensayo clínico. En algunos casos, tratamientos novedosos pueden ser usados experimentalmente en un pequeño grupo de pacientes antes de que el ensayo clínico real comience. De nuevo, la efectividad de este tratamiento clínico está aun sin demostrar.

El hecho de que un procedimiento sea experimental no significa automáticamente que sea parte de una investigación clínica ni de un ensayo clínico. Los procedimientos experimentales podrían ser parte de un estudio de investigación formal en un estado inicial en base a determinar si es seguro y efectivo. Más información explicando y describiendo ensayos clínicos desarrollados por los Institutos Nacionales de Salud de USA (National Institutes of Health) peden encontrarse en la pagina web

www.clinicaltrials.gov/ct/info/resources/ .www.isscr.org

8. ¿Qué es un formulario de consentimiento informado o de aceptación de tratamiento?

Un Formulario de Consentimiento Informado o un Formulario de Consentimiento de Tratamiento define su aceptación al mismo y los efectos que dicho tratamiento conllevará sobre Usted. Estos formularios deben contener una clara descripción del tratamiento o procedimiento en un lenguaje comprensible para Usted. Debe explicar las opciones al tratamiento, los riesgos, sus derechos y sus responsabilidades. Un Consentimiento Informado es una excelente manera de conseguir la información que Usted pueda necesitar.

Usted debe de recibir un formulario de consentimiento para cualquier tratamiento experimental con células madre, incluso si este tratamiento no es parte de un ensayo clínico. Debe de estar claro que se trata de un procedimiento no demostrado y mencionar los riesgos específicos asociados con esta nueva terapia con células madre.

Una vez que Usted haya leído y comprendido el formulario de consentimiento informado y una vez resueltas las posibles preguntas, el formulario debe ser firmado por Usted (o su representante legal) y por el médico o la persona que le ha ofrecido la información. Usted debe recibir una copia de este formulario firmado.

El consentimiento Informado para un ensayo clínico debe contener:

- Que el ensayo clínico implica investigación y el porque se esta llevando a cabo.
- Cual es el tratamiento de estudio y si se trata de un estudio randomizado (aleatorio)
- Que posibilidades tiene usted de recibir diferentes tratamientos (placebo o un tratamiento alternativo)
- Que otras opciones medicas tiene
- Que esta implicado en el estudio antes, durante y después del tratamiento incluyendo procedimientos como la obtención muestras de sangre;
- Quien dirigirá el estudio
- Cuanto durará el estudio
- Los riesgos del tratamiento
- Detalles de las personas de contacto y de las organizaciones independientes que protegen los derechos de los pacientes.;
- Sus responsabilidades como objetos de la investigación e información quien tendrá acceso a la investigación o a los datos clínicos y los derechos a su confidencialidad;
- Su derecho a ser informado sobre cualquier nueva información que pueda afectar a su decisión de continuar participando en el estudio de investigación;
- Las circunstancias bajo las cuales Usted puede abandonar dicho estudio
- Sus derechos a poder abandonar este estudio en cualquier momento sin consecuencias y,
- Cuantos pacientes están incluidos en el estudio.
- Lo documentos no deben incluir ningún texto que exima a los investigadores, a las instituciones, al patrocinador o a sus agentes de sus responsabilidades o negligencias.

9. ¿Cómo se si una terapia autorizada con células madre es segura?

Ningún tratamiento medico puede ser descrito como completamente seguro. Siempre hay riesgos con cualquier tratamiento, algunos pequeños, otros mayores. Los riesgos, aún si son pequeños deben de serle explicados claramente por su médico.

10. ¿Qué debo saber si estoy considerando una terapia con células madre?

Debe Usted estar seguro que hay una buena evidencia científica de que el tratamiento es seguro y efectivo, así como saber que sus derechos como paciente se están respetando. Para comenzar, pregunte por evidencias sobre:

- Que los estudios preclínicos (ver punto 5) han sido publicados, revisados y repetidos por otros investigadores expertos del campo.
- Que los suministradores de la terapia han pasado la aprobación de un Comité independiente, tal como su Comité Científico Institucional o el Comité de Ética para asegurarse que corre el menor riesgo posible y que merece la pena cualquier posible beneficio, y que sus derechos están siendo protegidos.
- Que los suministradores tienen la aprobación de las Agencias Reguladoras Nacionales o Regionales como las de la FDA "Food and Drug Administration" o de la EMA "European Medicines Agency" para llevar a cabo el ensayo clínico o el uso médico de un producto para esta determinada enfermedad.

Algunos estudios de investigación pequeños, puede que no necesiten este nivel de aprobación reguladora, pero deben tener la aprobación de Comités de Investigación independientes (ver arriba) y el apoyo de la gerencia y dirección clínica y administrativa donde se esta realizando el procedimiento.

11. ¿En qué debo ser precavido si estoy considerando una terapia con células madre?

No hay una lista resumida, pero algunos signos de advertencia incluyen:

- Conclusiones basadas en el testimonio de otros pacientes. Los pacientes desean creer tanto que el tratamiento es el adecuado que ellos se auto-convencen de que es así. Los pacientes pueden incluso notar recuperaciones no directamente relacionadas con el tratamiento. A menos que haya una evaluación clínica del tratamiento es muy difícil conocer cual es el efecto real del tratamiento y cual se podría esperar.
- Múltiples enfermedades tratadas con las mismas células. A menos de que las enfermedades están relacionadas, como ocurre con muchas enfermedades de la sangre, diferentes enfermedades, como la enfermedad del Parkinson o las enfermedades del corazón, podría esperarse que tuviesen diferentes tipos de tratamientos. Además, usted deseará ser tratado por un medico que sea un especialista de su enfermedad.
- La fuente de las células o como el tratamiento podría ser realizado no esta claramente documentado. Esto le debe ser explicado a Usted claramente en el Formulario de Consentimiento Informado (ver pregunta 8). Además, debe de haber un 'protocolo' que describa el tratamiento en detalle al medico que le va a tratar. El protocolo debe estar en el 'manual de uso' para el procedimiento. Si este documento no se le facilita

automáticamente, Usted debería de solicitarlo.

- Para un ensayo clínico o un tratamiento experimental, los protocolos deberán ser revisados por su merito científico por expertos independientes y aprobados por los correspondientes Comités de Ética Clínica para asegurar que serán respetados los derechos y las buenas practicas hacia todos los participantes.
- Pregunte quien ha aprobado este protocolo y la fecha de vencimiento de la aprobación.
- Conclusiones sobre la ausencia de riesgos. Siempre hay riesgos con cualquier tratamiento. La información sobre los posibles riesgos deben de estar disponibles desde las fases preclínicas o cualquier otra investigación anterior.
- Elevados costes de los tratamientos o costes ocultos. No es habitual que alguien pague por entrar en un ensayo clínico (que no sean costes de viajes o personales). Considere si usted cree que debería pagar por un tratamiento que está en prueba. Mas aún, pregunte cuales son los costes de los Servicios Médicos de Emergencia si algo sale mal, particularmente si usted esta fuera de su ciudad o de su país. Entérese que coste representa para su sistema nacional de salud o su aseguradora médica su cobertura médica en que circunstancias y en que países.

12. ¿Qué más cosas debo preguntar?

Pregunte sobre el tratamiento que le ofrecen, y busque una segunda opinión con su medico de confianza. No se apresure en tomar una decisión este antes seguro de que entiende por completo el plan y sus riesgos.

Los médicos implicados deben de conocer su enfermedad en detalle, posibles opciones de tratamiento y la evidencia de que el tratamiento que le están ofreciendo sea seguro y que pueda funcionar. Usted debe recibir el Formulario de Consentimiento Informado o de Consentimiento del Tratamiento donde puede resolver muchas de las preguntas que se le planteen. (ver pregunta 8).

Estos formularios deben de ir firmados por usted y por el médico.

■ El tratamiento

¿Es este tratamiento es rutinario para esta enfermedad o estado?

¿Es este tratamiento parte de un ensayo clínico?

¿Que opciones alternativas a este tratamiento tengo para mi enfermedad?

En caso de tener ese tratamiento, ¿podría afectar que yo participe en otro ensayo clínico o puedo tener otro tratamiento?

¿Que posibles beneficios puedo esperar? ¿Como se medirá esto y cuanto tiempo llevará?

¿Que otras medicaciones o cuidados especiales necesitaré?

¿Como se ha realizado este procedimiento con células madre?:

¿Cual es fuente de las células madre?

¿Como se han identificado, aislado o crecido las células madre?

¿Se han diferenciado las células en células especializadas antes de la terapia?

¿Como se dispensarán las células en el sitio adecuado del cuerpo?

Si las células no son mías propias, ¿qué tratamientos preventivos se harán para que mi sistema inmune no reaccionen contra las células trasplantadas?

■ Evidencias científicas y seguimientos

¿Cual es la evidencia científica de que este Nuevo procedimiento puede funcionar para tratar mi enfermedad o estado? ¿Donde esta publicado?

¿Ha habido ensayos clínicos (anteriores)? ¿Que se sabe de ellos?

¿Hay algún seguimiento independiente sobre el plan de tratamiento, un Comité de Seguimiento Institucional? ¿Me pueden ofrecer una lista con el nombre de científicos básicos y clínicos que me puedan dar un consejo independiente?

¿Hay algún seguimiento independiente o acreditación por parte de la clínica donde tuvo lugar el tratamiento y la información sobre donde se procesaron las células?

¿Hay una aprobación concreta de las agencias nacionales o regionales del medicamento, la FDA "US Food and Drug Administration (FDA) o la Agencia Europea del Medicamento (EMA), para el uso de este tratamiento para esta enfermedad concreta?

■ Seguridad y emergencias

¿Cuales son los riesgos de este procedimiento y los posibles efectos colaterales inmediatos y a largo plazo?

¿Hay algún otro tipo de riesgos si me uno a este estudio?

¿Que harán, si desarrollo una reacción adversa al tratamiento? ¿Cual es la persona de contacto en caso de una emergencia o de un daño asociado a la investigación? ¿Quien me proporcionara el Servicio de emergencia medica?

¿Esta la clínica preparada para manejar una emergencia del tipo de una respuesta alérgica grave?

¿Que seguimiento al tratamiento recibiré y por cuanto tiempo? ¿Que debo hacer?

¿Quien es el doctor a cargo de mi tratamiento? ¿Que entrenamiento especializado tiene este medico? ¿Cuál es el grado de especialización de este medico y su equipo medico asociado?

■ Derechos del paciente

¿Cuales son mis derechos como participante del este estudio, por ejemplo confidencialidad, derecho a ser informado sobre cualquier nueva información que pudiera parecer relacionada, mi derecho a abandonar el estudio?

¿Qué compensación recibiría en caso de daño o lesión como resultado de tomar parte en el estudio?

■ Costes

¿Cuáles son los costes del tratamiento? ¿Que incluyen? ¿En que otros coste puedo incurrir?

¿Cuáles podrían ser los costes de los tratamientos de los servicios de emergencia si algo va mal? ¿Quien me los facilitaría? y ¿quien pagaría por ellos? En caso de que realice cualquier viaje o por el hecho de aceptar el tratamiento, cerciórese de que gastos le cubriría su proveedor de servicios médicos en su seguro de viaje, o en su seguro medico, bajo que circunstancias y en que países.

13. ¿Debo solicitar una segunda opinión?

Le recomendamos que resuelva todas sus preguntas y dudas sobre el tratamiento que le están ofreciendo y buscar una segunda opinión de un médico cualificado e independiente. Su médico debe ayudarlo y apoyarlo en el proceso de obtener una segunda opinión. Los informes médicos, los protocolos de investigación y los protocolos de tratamiento (en aquellos casos donde no estén bien establecidos) y los formularios de los consentimientos informados debe serle suministrados y facilitados a las personas a las que se dirija para obtener una segunda opinión.

14. ¿Cómo puedo encontrar información sobre ensayos clínicos que usen células madre?

Pida a su médico consejos sobre las distintas posibilidades de tratamiento para su enfermedad o estado. Diferentes ensayos clínicos que se están llevando a cabo en diferentes instituciones. En este punto deberíamos recordar que un ensayo clínico tiene criterios de inclusión muy estrictos con el fin de salvaguardar la seguridad de los participantes y asegurar que los investigadores puedan ser capaces de contestar sus cuestiones científicas.

Hay actualmente bases de datos que permiten acceder a los ensayos de investigación clínica registrados. Por ejemplo, el público puede buscar bases de datos sobre ensayos clínicos financiados por los Institutos Nacionales de Salud de USA "National Institutes of Health" en la página www.clinicaltrials.gov. Tenga en cuenta, sin embargo, que no todos los ensayos clínicos están contenidos en esta base de datos.

Fuente: "Manual del Paciente sobre Terapias con Células Madre" - International Society for Stem Cells Research (ISSCR)

En el siguiente link se pueden encontrar documentos sobre el tema elaborados por la Comisión Asesora en Terapias Celulares y Medicina Regenerativa del Ministerio de Ciencia, Tecnología e Innovación Productiva:

[Http://www.mincyt.gov.ar/publicaciones/index.php?Id_area=19](http://www.mincyt.gov.ar/publicaciones/index.php?Id_area=19)